



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 61/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart
we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1,
deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu
kardiochirurgicznym

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart, proszek, puszka 400 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zasadności wydawania zgody na kontynuację refundacji w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym. Lipistart uprzednio uzyskał już pozytywne Stanowisko Rady Przejrzystości nr 83/2019 oraz pozytywną Rekomendację Prezesa nr 81/2019 w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego. Jednak przedmiotem oceny nie był deficyt palmitylotransferazy karnityny typu 2 (deficyt CPT2).

Dowody naukowe

W pierwotnym raporcie (OT.4311.14.2019) w ramach przeprowadzonego przeglądu odnaleziono badania i opisy przypadków dla deficytu LCHAD i VLCAD, chłonkobrzusza i chłonorotoku do jamy opłucnej wskazujące na skuteczność mieszanek wzbogaconych o MCT ww. wskazaniach. W poprzednim raporcie, tak jak w przypadku aktualnego raportu nie odnaleziono w ramach przeprowadzonego przeglądu żadnych dowodów dotyczących stosowania śsspż wzbogaconych o MCT w populacji pacjentów z deficytem CPT1. Ponadto przeanalizowano badanie Alsahlawi 2022 – opis przypadku pacjenta ze zdiagnozowanym deficytem palmitylotransferazy karnityny typu II (CPT2).

Nie odnaleziono nowych badań dla pozostałych wskazań, tj. deficytu VLCAD, deficytu LCHAD, deficytu CPT1, chłonkobrzusza oraz chłonkotoku do jamy opłucnej, będącego wynikiem leczenia kardiochirurgicznego wad serca.

Rekomendacje kliniczne: BIMDG 2017 (aktualizacja 2020) (Wielka Brytania; van Calcar 2020 (aktualizacja wytycznych SERN/GMDI 2019) (USA); Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019 (Polska). Co prawda nie odnaleziono wytycznych klinicznych dla leczenia chłonkobrzusza, jednak odnaleziono retrospektywne badanie obserwacyjne Miserachs 2019, odnoszące się do postępowania w przypadku wystąpienia chłonkobrzusza po przeszczepie wątroby w populacji pediatrycznej.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacją zawartą w zleceniu szacunkowa cena netto sprzedaży analizowanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego do apteki, zawierająca marżę hurtową, wynosi 224,97 zł za puszkę 400 g (dane nt. ceny śsspż pochodzą z raportu z ZSMOPL z marca 2023 r.). Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia w okresie styczeń 2021 – luty 2023 wydano łącznie 52 zgody na refundację produktu Lipistart dla 19 pacjentów, a łączna kwota zgód na refundację wyniosła ok. 414 tys. zł (sprowadzono 1842 opak.). Produkt Lipistart w nowo ocenianym wskazaniu tj. deficyt CPT2 sprowadzono w ramach importu docelowego dla jednego pacjenta – zrefundowano 30 opakowań na kwotę 6 749,10 zł. Ze względu na to, że oceniany śsspż stosowany jest jako uzupełnienie diety u dzieci w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie, ponadto czas stosowania jest indywidualny w zależności od stanu klinicznego pacjenta i zalecanego leczenia dietetycznego, przy czym brak jest ww. danych w polskiej populacji pacjentów, nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu rocznej terapii. Uwzględniając obecnie niewielkie koszty ponoszone na Lipistart w populacji pacjentów z deficytem CPT2 oraz rzadki charakter choroby, przewidywany wpływ na wydatki płatnika publicznego jest niewielki.

Główne argumenty decyzji

1. Rekomendacje kliniczne i wytyczne towarzystw naukowych najczęściej nie odnoszą się bezpośrednio do ocenianego produktu, jednak wyraźnie wskazują na korzyści wynikające ze stosowania w terapii zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych diety niskotłuszczowej i wysoko węglowodanowej. Dietę można uzupełniać średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (MCT). Ważne jest unikanie okresów głodzenia i sytuacji mogących prowadzić do dekompensacji metabolicznej;
2. Wydatki budżetowe nie powinny znacząco wzrosnąć nawet w przypadku poszerzenia grupy pacjentów o tych ze stwierdzonym deficytem CPT2;
3. Wcześniejsze stanowiska Rady i rekomendacje Prezesa AOTMiT.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.) oraz w zw. z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.5.2023 „Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonnokbrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym”; data ukończenia 1 czerwca 2023 r.